



Minister
Zdrowia



PLR2.055.5.2024.1.WM
Warszawa, 08 grudnia 2024

Szanowna Pani,

w związku z petycją, która wpłynęła do Ministerstwa Zdrowia 27 listopada 2024 r. odnośnie udostępnienia profilaktyki krwawień emicizumabem dla wszystkich dzieci chorych na hemofilię A w postaci ciężkiej, Minister Zdrowia prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Kwestie związane z refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930), zwana dalej „*ustawą o refundacji*”. W myśl zapisów ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Złożony do Ministerstwa Zdrowia wniosek musi zawierać wszystkie elementy, określone w art. 25. ustawy o refundacji. Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla danej substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, ewentualnych instrumentów dzielenia ryzyka oraz wskazania, w którym produkt ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu.

Uprzejmie informuję, że lek Hemlibra (emicizumab) **jest aktualnie objęty refundacją w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”**. Kryteria kwalifikacji do emicizumabu obejmują dzieci z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem:

- 1) do ukończenia 2. roku życia, lub
- 2) u których występuje trudny dostęp dożylny definiowany jako konieczność usunięcia drugiego portu bądź brak możliwości założenia portu, nawet jeśli nie występowały u nich wcześniej krwawienia dostawowe, lub
- 3) u których występują co najmniej trzy krwawienia rocznie wymagających leczenia czynnikiem VIII, pomimo prawidłowo stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII.

Treść wskazania refundacyjnego czy też jego zakres wynikający z kryteriów kwalifikacji danego programu nie jest zależny wyłącznie od Ministerstwa Zdrowia. Co więcej, jego zakres definiowany jest w głównej mierze przez podmiot odpowiedzialny w momencie przedłożenia wniosku refundacyjnego. Następnie, Minister Zdrowia poddaje szczegółowej analizie dane wnioskowanie, jak również zasięga opinii odpowiednich ekspertów klinicznych, w szczególności Konsultantów Krajowych oraz Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Ponadto, treści programów lekowych na wstępnym etapie postępowania administracyjnego podlegają weryfikacji przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Tym samym, finalna treść programu lekowego poprzedzona jest wieloetapowym procesem analitycznym. Niemniej, główny kierunek wnioskowania określony jest już na wstępie we wniosku refundacyjnym, a zmiany w zakresie dedykowanej populacji na późniejszych stanowią incydentalne przypadki.

Mając na względzie powyższe informuję, iż refundację leku w takiej populacji wnosiła firma Roche przedkładając wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto. Dodatkowo 1 października 2024 r., a więc niedługo po włączeniu terapii do refundacji systemowej, wprowadzono zmiany w przedmiotowym programie lekowym, które polegały na ujednoliceniu kryteriów kwalifikacji dla emicizumabu bez względu na moduł profilaktyki pierwotnej lub wtórnej.

Zgodnie z art. 25 pkt 14 ppkt c ustawy o refundacji, podmiot odpowiedzialny do wniosku o objęcie refundacją leku, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu musi dołączyć:

- analizę kliniczną, sporządzoną na podstawie przeglądu systematycznego w porównaniu z innymi możliwymi do zastosowania w danym stanie klinicznym procedurami medycznymi we wnioskowanym wskazaniu, w tym, o ile występują, finansowanymi ze środków publicznych,
- analizę ekonomiczną z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy,
- analizę wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

Wymienione wyżej analizy winny uwzględniać populację, w której dany lek ma być refundowany, tym samym ich zakres co do zasady powinien korespondować z wnioskowaną populacją docelową i wskazaniem klinicznym.

Bezsprzeczna pozostaje również kwestia, iż odnosząc się do terapii emicizumabem mówimy o wysokokosztowej technologii lekowej. Rada Przejrzystości w Stanowisku nr 140/2023 z dnia 4 grudnia 2023 r. w sprawie oceny leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)” zwracała uwagę, że *„Szacowany roczny koszt na jednego pacjenta stosowania emicizumabu jest kilkakrotnie wyższy od kosztu profilaktycznej terapii za pomocą rekombinowanego czynnika VIII. Pozytywna decyzja refundacyjna będzie wiązała się ze znacznymi, dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego”*. Skalę kosztów o których mowa w przypadku terapii emicizumabem przedstawia również fakt, iż projektując postępowanie przetargowe na zakup emicizumabu dla populacji, która obejmuje aktualne kryteria refundacyjne oszacowano, że wartość zakupionego leku przekroczy 50 mln zł. Dla porównania, zgodnie z raportem refundacyjnym Narodowego Funduszu Zdrowia za 2023 r., kwota refundacji przeznaczona na VIII czynnik krzepnięcia dla wszystkich pacjentów prowadzących profilaktykę krwawień w ramach przedmiotowego programu lekowego wyniosła niewiele ponad 18 mln zł. Tym samym, zmiany o charakterze populacyjnym w przypadku tak wysokokosztowej terapii muszą być poprzedzone odpowiednimi analizami farmako-ekonomicznymi, które co do zasady stanowią zawartość wniosków refundacyjnych dla nowych terapii lub nowych wskazań klinicznych już refundowanych produktów.

Mając na względzie, że podmiot odpowiedzialny wnioskował o objęcie refundacją emicizumabu w populacji pacjentów poniżej 2. roku życia oraz pacjentów poniżej

18. roku życia z utrudnionym dostępem dożylnym lub u których występują co najmniej 3 krwawienia rocznie i dla takiej właśnie populacji zostały ustalone określone warunki finansowania. **Zważywszy na brak odpowiednich analiz oraz wniosku refundacyjnego, Ministerstwo Zdrowia na chwilę obecną nie planuje zmian w zakresie refundacji emicizumabu w populacji pediatrycznej.**

Warto jednak wspomnieć, iż aktualnie jest procedowany wniosek o objęcie refundacją leku Hemlibra (emicizumab) w populacji pacjentów dorosłych z ciężką postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem. Wniosek przeszedł ocenę Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a szczegóły można znaleźć pod adresem: <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2024/1033-materialy-2024/8476-65-2024-zlc>.

Ustawa o refundacji nakłada na ministra właściwego ds. zdrowia obowiązek gospodarowania środkami pochodzącymi ze składek obywateli w sposób racjonalny, tj. zapewniający wszystkim obywatelom mającym zróżnicowane potrzeby zdrowotne sprawiedliwy dostęp do skutecznych terapii. Podstawą tak rozumianej sprawiedliwości społecznej jest podejmowanie decyzji dotyczących alokacji publicznych zasobów systemowych w oparciu o jednolite, powtarzalne i przejrzyste kryteria stosowania wobec zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych wielu grup pacjentów. Przy tworzeniu wykazu refundowanych leków, środków medycznych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, uwzględnia się wartość terapeutyczną leku, bezpieczeństwo jego stosowania oraz koszt terapii. Realizując politykę zdrowotną państwa, Minister Zdrowia kieruje się zasadami medycyny opartej na dowodach naukowych (EMB) oraz oceny technologii medycznych (HTA). Ma to zapewnić przejrzystość i racjonalność podejmowanych decyzji o alokacji środków publicznych.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Marek Kos
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/